

Sobi och Apellis: Aspaveli®/Empaveli® visar ett års varaktig effekt i fas 3-studie vid sällsynta njursjukdomar

- *En robust minskning av proteinuri och stabil njurfunktion bibehölls i en bred patientpopulation*
- *Inga nya säkerhetssignaler observerades*
- *Nya data presenterades vid en late-breaking session vid European Renal Associations (ERA) kongress*
- *Ansökan om marknadsföringstillstånd för Aspaveli/Empaveli är under granskning hos EMA och FDA*

Sobi® (STO: SOBI) och Apellis Pharmaceuticals, Inc. presenterade idag nya data från den öppna delen av fas 3-studien VALIANT som utvärderar Aspaveli® (pegcetacoplan) vid C3 glomerulopati (C3G) och primär immunkomplex membranproliferativ glomerulonefrit (IC-MPGN). Resultaten presenterades i en så kallad late-breaking session vid European Renal Associations (ERA) kongress.

I studien VALIANT uppvisade Aspaveli en statistiskt signifikant 68% minskning av proteinuri jämfört med placebo vid vecka 26. Denna effekt bibehölls efter ett år. Dessutom uppvisade patienter som behandlades med Aspaveli fortsatt stabil njurfunktion, mätt med estimerad glomerulär filtrationshastighet (eGFR).

"Ettårsuppföljningen från fas 3-studien är mycket övertygande och bekräftar att Aspaveli har en varaktig effekt på flera viktiga sjukdomsmarkörer", sade Fadi Fakhouri, MD, PhD, presenterande författare, medansvarig huvudprövare för studien VALIANT och professor i nefrologi vid CHUV Lausanne, Schweiz. "Med tanke på den höga risken för njursvikt är behandlingseffekt av yttersta vikt för patienter med C3G och primär IC-MPGN, varav många befinner sig i livets mest aktiva skede. Dessa data understryker ytterligare potentialen hos Aspaveli att göra verklig skillnad för patienter."

Hos patienter som bytte från placebo till Aspaveli i början av den öppna delen av studien visade Aspaveli en liknande förbättring i minskning av proteinuri och stabilisering av njurfunktionen.

Nils Kinnman, MD, PhD, Head of Medical Affairs and Clinical Development på Sobi sade: "Resultaten från fas 3-studien VALIANT understryker potentialen hos Aspaveli att tillgodose de akuta behoven hos personer som lever med njursjukdomarna C3G och primär IC-MPGN. Denna studie är ett exempel på Sobis engagemang för att driva utvecklingen av innovativa terapier som gör verklig skillnad i patienters liv."

"Dessa data stärker effekt- och säkerhetsprofilen hos EMPAVELI i en bred patientpopulation med C3G och primär IC-MPGN, inklusive vuxna och ungdomar med sjukdom i både icke-transplanterade och transplanterade njurar", sade Peter Hillmen, MD, PhD, Chief Medical Advisor sällsynta sjukdomar på Apellis. "Vi ser fram emot ett beslut från FDA i sommar och

möjligheten att snabbt kunna göra EMPAVELI tillgängligt för patienter som lever med dessa sällsynta och allvarliga njursjukdomar."

EMPAVELI/Aspaveli visade gynnsam säkerhet och tolerabilitet, i enlighet med dess fastställda profil. Inga nya säkerhetssignaler observerades.

Åtta presentationer framhåller betydande kliniska framsteg inom sällsynta njursjukdomar

Totalt åtta presentationer, inklusive sex på podiet, kommer att lyftas fram vid kongressen. Presentationerna kommer att visa kliniskt betydelsefulla resultat från fas 3-studien VALIANT, tillsammans med ytterligare data. Dessutom har arrangörerna utsett två abstract till listan över de tio främsta vid ERA. "Topp-tio-listan" synliggör studier som bedöms vara särskilt betydelsefulla och som framhäver det växande området för klinisk forskning inom njursjukdomar.

Om C3-glomerulopati (C3G) och primär immunkomplex membranoproliferativ glomerulonefrit (ICMPGN)

C3G och primär IC-MPGN är sällsynta och svåra njursjukdomar som kan leda till njursvikt. Förhöjda nivåer av C3-deponeringar är en viktig markör för sjukdomsaktivitet, vilket kan leda till njurinflammation, skada på njuren, eller njursvikt. Cirka hälften av alla personer som lever med C3G och primär IC-MPGN drabbas av njursvikt inom fem till tio år efter diagnos, vilket kräver en betungande njurtransplantation eller livslång dialys.¹ Dessutom kommer 90 procent av de patienter som genomgått en njurtransplantation att återinsjukna.² Sjukdomarna beräknas drabba runt 5 000 personer i USA och upp till 8 000 i Europa.³

Om studien VALIANT

Fas 3-studien VALIANT ([NCT05067127](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT05067127)) är en randomiserad, dubbelblind, placebokontrollerad, multicenterstudie som utformats för att utvärdera effekt och säkerhet av pegcetacoplan hos 124 patienter från tolv års ålder med C3G eller primär IC-MPGN. Det är den största enskilda studien som genomförts i dessa patientpopulationer och den enda studien som inkluderat patienter med såväl icke-transplanterade som transplanterade njurar, både ungdomar och vuxna. Studiedeltagarna randomiserades till att få antingen pegcetacoplan eller placebo två gånger i veckan under 26 veckor. Efter den randomiserade och kontrollerade perioden om 26 veckor kunde patienterna gå vidare till en öppen fas om ytterligare 26 veckor där samtliga studiedeltagare fick pegcetacoplan. Studiens primära effektmått var den log-transformerade kvoten av urinprotein/kreatininkvoten (UPCR) vid vecka 26 jämfört med baslinjen.

Om pegcetacoplan vid sällsynta sjukdomar

Pegcetacoplan är en målinriktad behandling mot C3/C3b som syftar till att reglera okontrollerad aktivering av komplementsystemet, en del av kroppens immunförsvar. Okontrollerad aktivering av C3/C3b kan leda till uppkomst och utveckling av många allvarliga sjukdomar. Pegcetacoplan utvärderas för sällsynta sjukdomar inom hematologi och nefrologi. Pegcetacoplan är godkänt för behandling av paroxysmal nokturn hemoglobinuri (PNH) som EMPAVELI®/Aspaveli® i USA, EU och andra marknader världen över.

Om Sobis och Apellis samarbete

Sobi och Apellis har globala rättigheter för gemensam utveckling av systemisk pegcetacoplan. Sobi har exklusiva rättigheter till kommersialisering av systemisk pegcetacoplan utanför USA, och Apellis har exklusiva kommersialiseringsrättigheter för systemisk pegcetacoplan i USA samt globala kommersialiseringsrättigheter för oftalmologisk pegcetacoplan, inklusive geografisk atrofi.

Om Sobi®

Sobi är ett globalt biofarmabolag som förverkligar potentialen i banbrytande innovationer och ger

personer som lever med sällsynta sjukdomar en bättre vardag. Sobi har cirka 1 900 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern, Asien och Australien. För 2024 uppgick intäkterna till 26 miljarder SEK. Sobis aktie (STO:SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Mer om Sobi på sobi.com och LinkedIn.

Om Apellis

Apellis Pharmaceuticals, Inc. är ett globalt biofarmaceutiskt företag som genom att kombinera nydanande vetenskap och medkänsla verkar för att utveckla livsförändrande behandlingar för några av de mest utmanande sjukdomarna. De introducerade den första nya läkemedelsklassen för behandling av komplementsystemet på 15 år och har nu två godkända läkemedel som riktar sig mot C3. Dessa inkluderar den första behandlingen någonsin för geografisk atrofi, en ledande orsak till blindhet runt om i världen. Detta förmodas bara vara början på potentialen för målinriktad C3-behandling vid många allvarliga sjukdomar. För mer information, besök <http://apellis.com>. eller följ dem på [X \(twitter\)](#) och [LinkedIn](#).

Kontakter

Sobi

För kontaktuppgifter till Sobis Investor Relations-team, klicka [här](#). För Sobis mediakontakter, klicka [här](#).

Apellis

Media: Tracy Vineis, media@apellis.com
+1 617 420 4839

Investors: Neil Carnahan, CFA, neil.carnahan@apellis
+1 617 977 5703

Referens:

1. C3 glomerulopathy. National Institute of Health, Genetics Home Reference. <https://ghr.nlm.nih.gov/condition/c3-glomerulopathy#resources>. Accessed November 21, 2019.
2. Tarragón, B, et al. C3 Glomerulopathy Recurs Early after Kidney Transplantation in Serial Biopsies Performed within the First 2 Years after Transplantation. Clinical Journal of the American Society of Nephrology. August 2024; 19(8)1005-1015. doi: 10.2215/CJN.0000000000000474.
3. Data on file using literature consensus